

## **Randvoorwaarden voor afspraken tussen partijen m.b.t. Voorwaardelijke Toelating**

Het instrument Voorwaardelijke Toelating (VT) is in 2012 geïntroduceerd. De ervaringen die de eerste jaren zijn opgedaan met dit instrument hebben ertoe geleid dat de minister van VWS de Tweede Kamer in juni 2014 heeft geïnformeerd over nieuw beleid voor VT (TK 2013-2014, 32 620, nr.122). Om het voorwaardelijke traject te laten slagen, is het van belang dat de betrokken partijen (onderzoekers, zorgverleners, beroepsgroepen, patiëntenorganisaties en fabrikanten) voorafgaand aan een VT-traject afspraken maken. Het betreft zowel afspraken over de voorwaarden waaraan moet zijn voldaan voordat de interventie voorwaardelijk kan worden toegelaten, als afspraken met betrekking tot de situatie dat de interventie na afloop van de voorwaardelijke toelatingsperiode niet het basispakket instroomt. Het maken van deze afspraken verduidelijkt voor alle betrokken partijen hoe het traject eruit gaat zien en welke inspanningen en resultaten van een ieder worden gevraagd tijdens en na afloop van het traject. Uit de afspraken moet onder meer blijken dat de partijen zich committeren aan het traject en zich ervan bewust zijn dat er op verschillende momenten in en na afloop van het traject een negatieve pakketbeslissing kan worden genomen. Voor het voorwaardelijk toelaten van een interventie is het onder meer noodzakelijk dat de minister, mede op basis van deze afspraken, vertrouwen heeft in een goed verloop van het traject.

Het onderhavige kader bevat de randvoorwaarden voor de afspraken tussen de betrokken partijen. Deze liggen zowel op inhoudelijk, communicatief als procesmatig gebied. Dit kader maakt onderdeel uit van het nieuwe beleid voor VT, dat de minister in juni 2014 richting de Tweede Kamer heeft gecommuniceerd. Het Zorginstituut bevordert de totstandkoming van deze afspraken.

Indien er sprake is van het sluiten van een prijsarrangement voor de voorwaardelijke toelatingskandidaat geldt overigens nog dat het voorwaardelijk toelatingstraject pas kan starten op het moment dat dit prijsarrangement is afgesloten.

### **1. Proces**

- Alle bij het voorwaardelijk toelatingstraject betrokken partijen – onderzoekers, zorgverleners, beroepsgroepen, patiëntenorganisaties en fabrikanten – worden betrokken bij het maken van de afspraken voorafgaand aan het voorwaardelijk toelatingstraject.
- De afspraken worden per voorwaardelijk toelatingstraject in een convenant vastgelegd waarin de juridische verhouding tussen betrokken partijen adequaat is geregeld.
- Helder moet zijn welke zorgverleners de voorwaardelijk toegelaten zorg gaan aanbieden.
  - Daarbij moet zijn gespecificeerd welke zorgverleners aan het hoofdonderzoek deelnemen en welke ook of alleen deelnemen aan het eventuele onderzoek dat naast het hoofdonderzoek loopt. Dit kan naar keuze in het onderzoeksprotocol dan wel in het convenant worden gespecificeerd.
  - Aandachtspunt hierbij is dat de Regeling zorgverzekering deelname aan onderzoek verplicht stelt als voorwaarde voor de vergoeding van deze zorg. Er dient in principe voldoende aanbod te zijn van deze zorg (gekoppeld aan onderzoek). Partijen spannen zich ervoor in om het aanbod redelijk over het land te verspreiden, met name voor interventies waarvoor patiënten meerdere keren naar de zorgverlener moeten en voor follow-up bezoeken.
- Het Zorginstituut begeleidt de totstandkoming van het convenant, maar is geen partij bij dit convenant.
- Het Zorginstituut adviseert de minister van VWS over de voorwaardelijke toelating van interventies. Als onderdeel daarvan (niet limitatief):
  - bepaalt het welk bewijs voor de effectiviteit nog ontbreekt (de 'evidence gap'). Het Zorginstituut stelt, na overleg met de betrokken partijen, vast wat de uit- en instroomcriteria zijn, met andere woorden: op basis van welke uitkomstmaten wordt bepaald of een interventie effectief is en welk verschil in effect relevant is om te kunnen spreken van effectieve zorg;
  - geeft het aan of c.q. in hoeverre het convenant aan het onderhavige kader voldoet;

- monitort het Zorginstituut het verloop van het VT-traject en rapporteert het hierover jaarlijks aan de minister.

## 2. Inhoud

In het convenant worden afspraken gemaakt over de volgende onderwerpen:

### a. *Commitment*

- Alle betrokken partijen, het betreft hier onderzoekers, zorgverleners, beroepsgroepen, patiëntenorganisaties en fabrikanten, committeren zich er aan om het VT-traject succesvol te laten verlopen.
- Daarnaast committeren deze partijen zich ook aan de specifieke afspraken die zijn vastgelegd in dit convenant.
- Alle betrokken partijen erkennen in het convenant dat:
  - sprake is van tijdelijke toelating tot het basispakket, onder voorwaarde van o.a. onderzoek;
  - deze voorwaardelijke toelating tussentijds kan worden beëindigd (bijvoorbeeld in geval van te trage inclusie, het mislukken van de follow-up, het overschrijden van de p\*q-raming met betrekking tot de te verlenen zorg, of het beschikbaar komen van andere data (ook internationaal) die nopen tot voortijdige beëindiging van de interventie (het laatste is in principe ter beoordeling van de centrale Medisch Ethische Toetsingscommissie (METC)); dit wordt gemonitord door het Zorginstituut); en
  - het voorwaardelijk traject zowel kan leiden tot instroom als tot uitstroom overeenkomstig de uit- en instroomcriteria, zoals gedefinieerd door het Zorginstituut, die de basis zijn voor het VT-traject.

Zie in dit verband ook onderdeel 3 (communicatie).

- De behandelaren committeren zich eraan dat patiënten:
  - Overeenkomstig het onderzoeksprotocol worden behandeld;
  - Overeenkomstig de wettelijke regels voor vergoeding van de zorg in principe aan het hoofdonderzoek moeten deelnemen, en dat deelname aan het aanvullend onderzoek alleen plaatsvindt in de in de Regeling zorgverzekering benoemde uitzonderingsgevallen.

### b. *Opzet en inhoud van het onderzoek*

- Een uitgewerkt onderzoeksprotocol van het hoofdonderzoek. Daarbij geldt dat het op te zetten onderzoek gedurende de VT-periode dient te leiden tot het door het Zorginstituut geïdentificeerde ontbrekende bewijs ten aanzien van het aantonen van de (kosten)effectiviteit.
- In hoeverre er naast het hoofdonderzoek nog een aanvullend (bijvoorbeeld observationeel) onderzoek gaat lopen, hoe deze twee onderzoeken zich tot elkaar verhouden en elkaar kunnen versterken en op de beantwoording van welke onderzoeksvragen het aanvullend onderzoek zich richt. Overigens geldt wel dat het hoofdonderzoek op zichzelf reeds voldoende bewijs dient op te leveren over de (kosten)effectiviteit van de voorwaardelijk toegelaten behandeling.
- Indien van toepassing: een uitgewerkt onderzoeksprotocol van het aanvullend onderzoek.
- De start van het onderzoek / de onderzoeken en de verschillende fasen binnen deze onderzoeken. Dit kan pas starten op het moment dat ook de noodzakelijke voorbereidingen door de verschillende betrokken partijen zijn getroffen (bijvoorbeeld het inrichten van een patiëntenregister); in het convenant wordt aangegeven waaruit die noodzakelijke voorbereidingen bestaan. Indien er ook nog sprake is van het sluiten van een prijsarrangement, dan kunnen het onderzoek en het voorwaardelijk toelatingstraject pas starten op het moment dat dit traject is afgerond.
- Schriftelijke toestemming van de METC van alle aan de onderzoeken deelnemende instellingen.

### c. *Instroom en uitstroom*

- Afspraken omtrent de implementatie van de interventie indien en op het moment dat aan het einde van een voorwaardelijk toelatingstraject blijkt dat een interventie wordt toegelaten tot het basispakket.
- Hoe om te gaan met de situatie van al dan niet tussentijdse uitstroom, bijvoorbeeld indien aan het einde van een voorwaardelijk toelatingstraject blijkt dat a) een interventie niet effectief is

bevonden, of b) de gegevens onvoldoende zijn om een oordeel te kunnen vellen over de effectiviteit (bijv. van onvoldoende kwaliteit of incompleet), in welk geval de interventie ook een negatief oordeel van het Zorginstituut zal ontvangen. Hierbij kan worden gedacht aan: hoe wordt omgegaan met de patiënten die de interventie ontvangen/hebben ontvangen? Heel specifiek kan het bijvoorbeeld gaan om patiënten die een bepaald geneesmiddel innemen en hier niet meteen mee kunnen stoppen, omdat het gebruik zorgvuldig dient te worden afgebouwd. Wat de financiering van deze zorg betreft, zie onderdeel 4 (financiering).

*d. Tijdpad*

- Afspraken dienen te worden gemaakt over de duur van de voorwaardelijke toelating, de duur van de inclusiefase, de duur van de follow-up, de databewerking en de datum waarop de resultaten van het hoofdonderzoek en het eventuele aanvullende onderzoek worden opgeleverd.

*e. Monitoren*

- Om monitoring van het VT-traject door het Zorginstituut mogelijk te maken, maken de betrokken partijen afspraken over:
  - de bijeenkomsten die (minstens) tweemaal per jaar plaatsvinden om de voortgang van de onderzoeken te bespreken, de jaarlijkse evaluatie en eindevaluatie van een VT-traject;
  - de deelname van de betrokken partijen aan bovengenoemde bijeenkomsten;
  - het aanleveren van informatie over de voortgang van het VT-traject. Dit betreft ten minste informatie over de stand van zaken van het onderzoek/de onderzoeken en de naleving van de afspraken;
  - het aanleveren van informatie ten behoeve van het monitoren van de kosten van de voorwaardelijk toegelaten interventie (prijs en volume).

### **3. Communicatie**

De betrokken partijen maken in het convenant afspraken over onder meer de volgende onderwerpen:

- Patiënten die de voorwaardelijk toegelaten zorg ontvangen en zorgverleners die de voorwaardelijk toegelaten zorg verlenen moeten daaraan voorafgaand goed op de hoogte worden gebracht van de condities waaronder de zorg wordt geleverd, met name:
  - dat sprake is van nog niet bewezen effectieve zorg, wat betekent dat er nog onvoldoende gegevens beschikbaar zijn over niet alleen de voordelen maar bijvoorbeeld ook mogelijke bijwerkingen en risico's van de betreffende interventie;
  - dat de zorg tijdelijk tot het basispakket wordt toegelaten, in een onderzoekssetting;
  - dat patiënten door VT de mogelijkheid krijgen om een nog niet bewezen effectieve interventie vergoed te krijgen, maar dat het ook mogelijk is dat deze interventie voortijdig of aan het eind van het voorwaardelijk toelatingstraject uit het pakket stroomt, in welk geval deze zorg niet meer wordt vergoed;
  - dat deelname aan onderzoek een voorwaarde is voor de vergoeding van deze zorg ten laste van de basisverzekering.
- Aan het einde van het voorwaardelijk toelatingstraject moet helder richting de patiënten voor wie dit relevant is gecommuniceerd worden of de interventie wel of niet langer deel uitmaakt van het pakket.

### **4. Financiering**

- De partijen nemen in het convenant afspraken op over de wijze waarop de voorwaardelijk toegelaten interventie wordt gedeclareerd.
- De partijen nemen in het convenant een p\*q-raming met betrekking tot de te verlenen zorg tijdens het VT-traject op. Indien deze raming tijdens het VT-traject wordt of dreigt te worden overschreden, kan de minister op budgettaire gronden besluiten het VT-traject voortijdig te beëindigen.
- Als de studies worden ge(co)financierd door belanghebbende partijen (bijv. industrie), wordt op schrift gesteld dat onderzoekers op onafhankelijke wijze de onderzoeken kunnen uitvoeren en

de data kunnen bewerken en aanbieden voor publicatie. In het convenant geven de betrokken partijen aan hoe zij dit hebben geregeld.

- Geneesmiddelen en hulpmiddelen waar de patiënt niet onmiddellijk mee kan stoppen komen vanaf het moment waarop de VT wordt beëindigd voor rekening van de fabrikant, omdat financiering vanuit de Zvw niet meer aan de orde is. Hierover moeten heldere afspraken bestaan tussen de desbetreffende fabrikant(en) en zorgverleners.